

16 aprile 2010 16:48

ITALIA: Ricerca. Istituto Superiore di Sanità autorizza studi clinici contro malattie rare dei bambini



L'Istituto San Raffaele-Telethon (Hsr-Tiget) di Milano ha ricevuto il via libera per sperimentare la terapia genica contro due rare malattie genetiche. Con l'approvazione ufficiale da parte dell'Istituto Superiore di Sanità, si potranno ora avviare due studi clinici per valutare se queste cure sono efficaci per curare nei bambini la leucodistrofia metacromatica e la sindrome di Wiskott-Aldrich.

Entrambe le sperimentazioni dureranno tre anni e coinvolgeranno in totale 14 bimbi. Nella leucodistrofia metacromatica, spiega il San Raffaele, a causa di un difetto genetico si deteriora inesorabilmente il sistema nervoso. La sindrome di Wiskott-Aldrich, invece, colpisce gravemente il sistema immunitario a causa della mancanza di una proteina: quando questo accade, le difese contro le malattie funzionano male, il numero di piastrine si riduce notevolmente mentre cresce il rischio di sviluppare tumori e malattie autoimmuni.

I ricercatori dell'Hsr-Tiget, che hanno già ottenuto risultati positivi in laboratorio, proveranno ora a correggere i difetti genetici responsabili di queste gravi patologie attraverso la terapia genica. I medici preleveranno dal midollo osseo dei bambini le cellule staminali del sangue e inseriranno una copia sana del gene. Una volta corrette, queste staminali saranno restituite al paziente, dove dovrebbero correggere il difetto.

Saranno sottoposti a terapia genica 8 bambini con leucodistrofia metacromatica con la malattia al suo esordio, 'per poter dimostrare in tempi brevi l'efficacia e la sicurezza della terapia e eventualmente trattare in futuro anche bambini in fase più avanzata. Il primo è già stato individuato ed è un bambino libanese di 13 mesi'. Per la sindrome di Wiskott-Aldrich, invece, saranno coinvolti 6 bambini, scelti tra quelli affetti dalla forma più grave della malattia e privi di un donatore di midollo compatibile.